

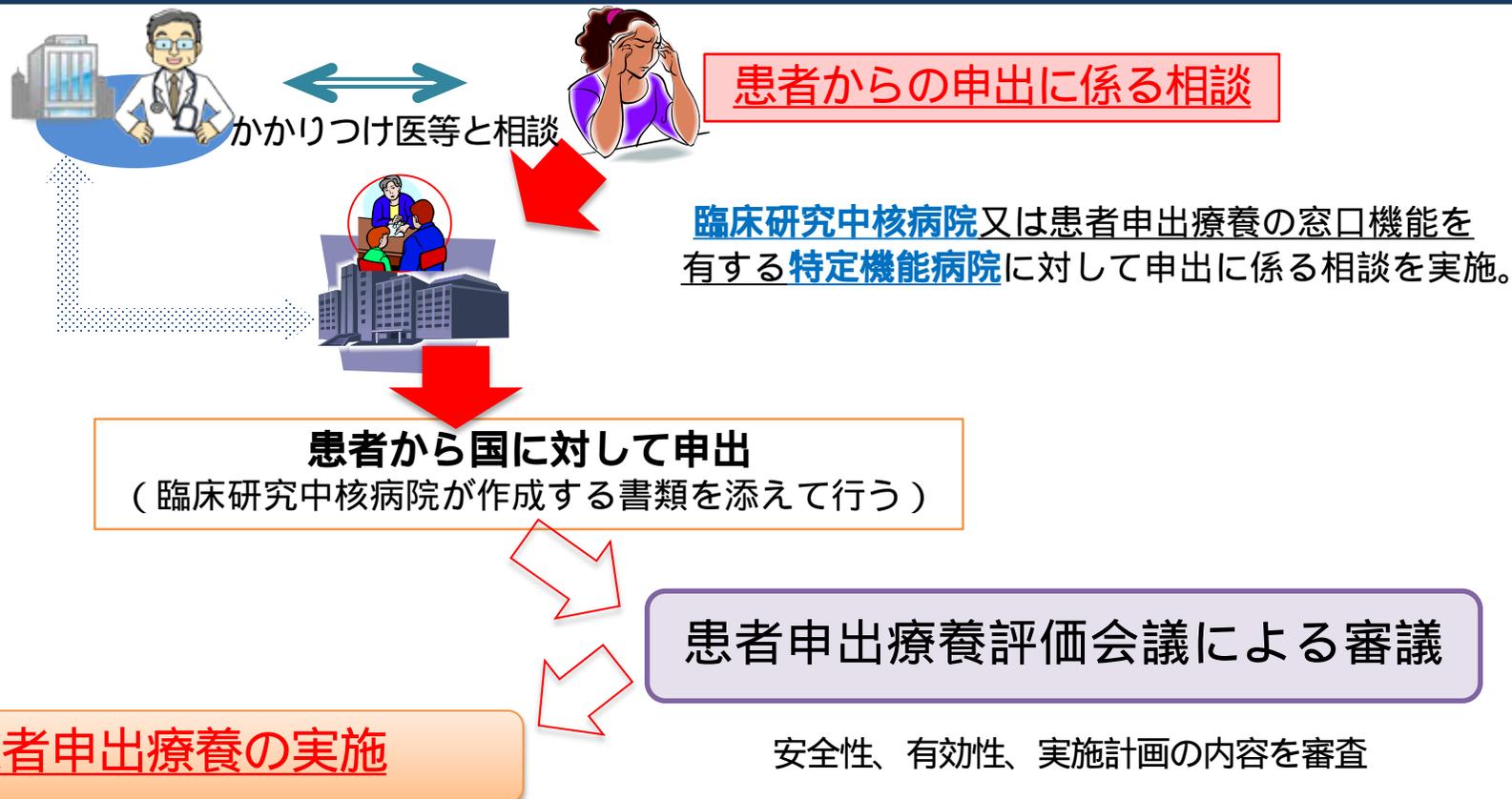
規制改革推進会議 医療・介護WG資料

「患者申出療養制度の普及に向けた対応」について

平成31年1月17日
厚生労働省

患者申出療養について

国内未承認の医薬品等を迅速に保険外併用療養として使用したいという患者の思いに応えるため、患者からの申出を起点とする新たな保険外併用療養の仕組みとして、患者申出療養を創設（平成28年4月～）
保険外併用療養の適用に当たっては、保険収載に向けた技術として、国において安全性・有効性を確認
することとされている。



原則
6
週間
()

申出を受けた臨床研究中核病院又は特定機能病院に加え、患者に身近な医療機関において患者申出療養が開始

対象となった医療及び当該医療を受けられる医療機関は国がホームページ等で公開

既に患者申出療養として前例がある医療を他の医療機関が実施する場合には臨床研究中核病院において原則2週間以内に実施体制等

情報収集 (注1)

国立保健医療科学院の「臨床研究情報ポータルサイト」で治験、先進医療を含む、各種臨床試験の情報を検索可能。
(<https://rctportal.niph.go.jp/>)

患者からの相談

→ Yes
.....→ No

治験

該当試験なし

先進医療

該当試験なし

患者申出療養 (既に告示されている技術)

該当試験なし

それ以外の 臨床研究

PMDA (医薬品医療機器総合機構)のHP上に、現在実施されている主たる治験情報が公開されている。
(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0019.html>)

厚生労働省のHP上に、現在実施されている先進医療の技術の概要及び実施可能施設を公開している。
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/sensiniryu/kikan.html>)

厚生労働省のHP上に現在実施されている患者申出療養の技術の概要及び実施可能施設を公開している。
(<http://www.mhlw.go.jp/topics/bukyoku/isei/kanja/kikan.html>)

各医療機関および、近隣の医療機関で実施されている臨床研究につき可能な範囲で情報収集。

該当試験あり

該当試験あり

該当試験あり

該当試験あり 該当試験なし

実施企業(注2)に参加可能かどうか確認

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

実施医療施設に適格基準等から参加可能かどうか確認

適格基準等から参加可能かどうか確認

実施企業(注2)に拡大治験の可否につき確認

実施医療施設に通院可能か否か

実施医療施設に通院可能か否か

臨床研究に参加

拡大治験()
に参加

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能かどうか確認

患者が希望する医療機関が協力医療機関として参加可能かどうか確認

試験実施可能なエビデンス(欧米での承認等)があるか

(人道的見地から実施される治験)

先進医療の計画変更により対応可能かどうか確認

患者申出療養の計画変更により対応可能かどうか確認

医薬品等の入手が可能か

治験に参加

先進医療に参加

患者申出療養に参加
(既に告示されている技術)

実施体制等の観点から実施可能か
(*計画作成の実現可能性等を踏まえる)

新たな患者申出療養として実施

既存の技術で対応

(注1) 情報収集に関しては、かかりつけ医、特定機能病院、臨床研究中核病院のいずれの医療機関で実施してもよい。

(注2) 医師主導治験の場合には実施医療機関(または医師)に確認。主たる治験実施者の連絡先に関しては下記リンクに公開されている。

(<https://www.pmda.go.jp/review-services/trials/0017.html>)

患者申出療養の実施状況（平成30年12月末時点）

告示番号	技術名	対象疾患	臨床研究中核病院	申出受理日	告示日	年間実施件数 (平成28年7月～平成29年6月までの実績)
1	パクリタキセル腹腔内投与及び静脈内投与並びにS-1内服併用療法	腹膜播種又は進行性胃がん	東京大学医学部附属病院	H28.9.7	H28.10.14	107例
2	耳介後部コネクターを用いた植込み型補助人工心臓による療法	重症心不全	大阪大学医学部附属病院	H29.1.23	H29.3.3	2例
3	リツキシマブ静脈内投与療法	難治性天疱瘡	慶應義塾大学病院	H29.3.21	H29.5.2	1例
4	チオテパ静脈内投与、カルボプラチン静脈内投与及びエトポシド静脈内投与並びに自家末梢血幹細胞移植術の併用療法	髄芽腫、原始神経外胚葉性腫瘍又は非定型奇形腫様ラブドイド腫瘍	名古屋大学医学部附属病院	H29.3.21	H29.5.2	1例
5	レジパスビル・ソホスブビル経口投与療法	ジェノタイプ1型C型肝炎ウイルス感染に伴う非代償性肝硬変	大阪大学医学部附属病院	H30.8.8	H30.9.19	－
6	インフィグラチニブ経口投与療法	進行固形がん	名古屋大学医学部附属病院	H30.11.2	H30.12.13	－

規制改革実施計画（平成30年6月15日閣議決定）（抄）

事項名	規制改革の内容	実施時期
制度の趣旨に沿った運用改善策の検討	患者からの申出を起点とするという制度趣旨に鑑み、患者が新たな治療を希望した場合には、安全性・有効性等が確認される限り原則として制度を迅速に利用できるよう、具体的な運用改善策を検討し、所要の措置を講ずる。	平成30年度検討、結論を得次第措置
制度の周知及び医療機関に向けた支援	<p>困難な病気と闘う患者がこれを克服しようとする場合に、選択肢として患者申出療養が適切に認知されるよう、周知方法を検討し、所要の措置を講ずる。</p> <p>また、従来の評価療養との違いを明確にする観点から、患者が制度を容易に利用できるよう、以下の内容を含めた医療機関に対する具体的な負担軽減策について検討し、所要の措置を講ずる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 医療機関に向けたQ & Aを策定し、公表する。 ・ 臨床研究計画書等の、患者申出療養の申請に必要な書面の作成を簡素化し、医療機関の負担軽減を図る。 ・ そのため、医療機関の参考となるよう、既の実施された患者申出療養及び既存の先進医療の臨床研究計画書を可能な範囲で提供する等の対応を行う。 	平成30年度措置

規制改革実施計画（平成30年6月15日閣議決定）を踏まえて

- 1．制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について
- 2．制度の趣旨に沿った運用改善策について（案）
- 3．制度の周知及び医療機関に向けた支援について（案）

1 . 制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

現在までに承認された患者申出療養は、6件。

特定機能病院及び臨床研究中核病院には、患者から相談があった場合にはその内容等を報告していただくこととしており、平成30年12月末時点までに計118件()の相談が来ている。

患者からの相談については、これまでと同様、先進医療や治験など他の制度での治療実施も含め、患者申出療養としての実施可能性について、丁寧かつ適切に相談に乗り、対応している。

() 前回WG時点(平成30年2月末時点)では計91件であった。

1. 制度の運用状況及び患者からの相談事例の現状について

平成30年12月末時点

特定機能病院等への患者からの
相談件数
(H28.4月からH30.12月末まで)
118件

34件

患者申出療養
評価会議
における審議

患者申出療養
として実施
6件

④ 制度一般に関する照会等、
具体的な技術に関する
相談ではなかったもの
41件

拡大治験（日本版コンパッ
ションネットコース）等の
治験、先進医療等、他の
臨床試験へ参加
19件

一度相談があったが、
その後、現在までに
相談がないもの
21件

既承認の患者申出
療養に参加
4件

医療機関等において患者
申出療養として実施困難と
判断したもの
22件

相談継続中
5件

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (22件)

平成30年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
	自家嗅粘膜移植による 損傷脊髄機能の再生治療 (頸髄損傷)	脳神経外科医の評価では、受傷の状況等の患者の状態からは技術の対象外であることから、安全性や有効性等に疑義があり(症状が改善しない可能性)、患者申出療養での実施は困難と判断。なお先進医療で実施中の技術であるが、当該患者は適応外。	患者の状態 からは適応外
	ラジオ波焼灼術 (腎細胞癌の多発転移)	相談を受けた臨床研究中核病院としては、患者の状態及び技術的な問題等から実施が不可能と判断し、見送り。	
	イソプロテレノール (β刺激薬)投与 (アルツハイマー型認知症)	当該患者の診断が未確定であること、当該治療薬は国内で承認されている薬剤であるが、当該疾患に対する効果は細胞・動物レベルで確認されたのみであり、ヒトでの効果が全く確認されていないことから、患者申出療養での実施は困難と判断。(<i>"Toxic tau oligomer formation blocked by capping of cysteine residues with 1,2-dihydroxybenzene groups". Nature Communications, 2015</i>)	患者の診断が 未確定かつ ヒトでの 効果が未確認
	ペランパネル (抗てんかん薬)投与 (筋萎縮性側索硬化症)	ヒトでの効果が全く確認されていないこと、近々、多施設共同の医師主導治験が他院で開始される予定であったため、そちらを案内。	ヒトでの 効果が未確認 治験を案内
	メラトニン投与 (認知症)	メラトニンは現時点で医薬品の入手が困難であること、動物モデルにおける使用経験はあるものの、ヒトに対する効果が確認されていないことから、患者申出療養として実施困難と判断。(<i>"Effect of Melatonin and Resveratrol against Memory Impairment and Hippocampal Damage in a Rat Model of Vascular Dementia." Neuroimmunomodulation, 2017</i>)	医薬品の入手 が困難であり かつヒトでの 効果が未確認

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (22件)

平成30年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
	スニチニブ (抗がん剤) 投与 (悪性褐色細胞腫)	本疾患に対する当該治療は以前、国内で医師主導臨床試験が実施されていた。本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	費用面から 患者自身が 断念
	経皮的ラジオ波凝固療法 (左大腿骨骨腫瘍)	本制度では自費診療部分 (薬剤費用等) は患者負担となり、高額な負担が予想されることから患者自身が断念。	
	ニボルマブ投与 (頭頸部癌stage IVA)		
	リツキシマブ投与 (CIDP: 慢性炎症性脱髄性多発神経炎)	海外・国内とも当該疾患に対する本治療の適応は無く、治験実施もなし。スペインでCIDPに対して当該治療を実施し、有効例を認めたとの報告あり (4例中2例が著明に改善)。高額な負担が予想されることから患者自身が断念。 (<i>"Rituximab in treatment-resistant CIDP with antibodies against paranodal proteins."</i> Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm., 2015)	
	腹腔内温熱化学療法 (腹膜偽粘液腫)	腹膜偽粘液腫に対する当該治療は先進医療として実施していたが、当該技術は医療機関の人的負担等が非常に大きく、患者申出療養として臨床研究を継続することは困難と判断した。	当該施設での 実施体制の 整備が困難
	腹腔内温熱化学療法 (大腸癌)		
	脳神経再生治療の治験 (脳出血後)	他医療機関で治験を実施中。相談を受けた医療機関では実施体制が整っておらず、実施医療機関への相談を勧めた。	
	骨髄間葉系幹細胞の静脈内投与 (脊髄損傷)		
	培養幹細胞 (Nurown) 移植術 (筋萎縮性側索硬化症)	米国で第 相試験が終了したもの。当該治療の実施にあたっては「再生医療等安全性確保法」に適合する医療機関または企業の工場において細胞の加工・保存を行う必要があり、さらに、幹細胞の海外への輸送等の問題もあり、医療機関として実施体制の整備が難しいと判断した。	

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (22件)

平成30年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
	ニボルマブ投与 (卵巣癌脳転移)	現時点では当該疾患に対する有効性の科学的根拠がないことから、患者申出療養の対象とはならないと判断。	有効性に関する科学的根拠無し
	NC-6004ナノプラチン治療 (膵臓癌)	ナノプラチンの治験が国内で実施中。患者申出療養としての実施を検討したが、企業からの薬剤入手が困難であり、実施困難と判断。	薬剤入手が困難
	パクリタキセル腹腔内投与 (胃がん腹膜播種)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、ご本人様も納得された。	医師との相談の結果、患者自身が判断
		相談時点で、左記治療は既に患者申出療養として実施組み入れが終了し、評価中の療養(第1番目の療養)であり、患者と相談し実施しないこととした。	患者組入が終了し評価中の患者申出療養であり実施せず
	自己心膜製ステントレス僧帽弁置換術治療 (僧帽弁狭窄症)	別の疾患に対して、先進医療として同様の技術が実施されており、そちらの適格基準の変更等を検討することとなった。	先進医療としての実施を検討

(参考) 医療機関等において患者申出療養として実施困難と判断した事例 (22件)

平成30年12月末時点

	医療技術名 (対象疾患)	経過等	
	免疫吸着療法 (拡張型心筋症)	他院の臨床試験で行ったものが研究終了のため施行不可となった。費用が高額になることが予想され、患者自身が断念。	
⑳	シトルリン投与 (CPS-1欠損症)	高アンモニア血症に対する既存治療が困難であり、薬事未承認であるシトルリンの投与を検討したが、緊急で薬剤が必要な状況であったため、患者申出の申請は断念した。	
㉑	耳介後部コネクターを用いた植え込み型補助心臓による療法 (拡張型心筋炎・皮膚筋炎)	左記治療を患者申出療養として受けたいと希望されたものの、治療状況等から、主治医等と相談した上で、まずは標準治療の実施が望ましいと判断され、患者自身も納得した。	

㉑～㉒は前回WG (平成30年2月末時点) から今回WG (平成30年12月末時点) までの間に新たにあった相談事例

2 . 制度の趣旨に沿った運用改善策について（案）

（１）患者からの申出を想定した臨床研究計画書の先行作成【P. 13-19参照】

- ・ がん遺伝子パネル検査後に想定される患者申出療養など、今後申請がなされる可能性が高い技術については、臨床研究計画書等を予め作成し、患者の申出から治療開始までの期間短縮を図る。 今春措置予定

（２）質の高い相談体制の構築

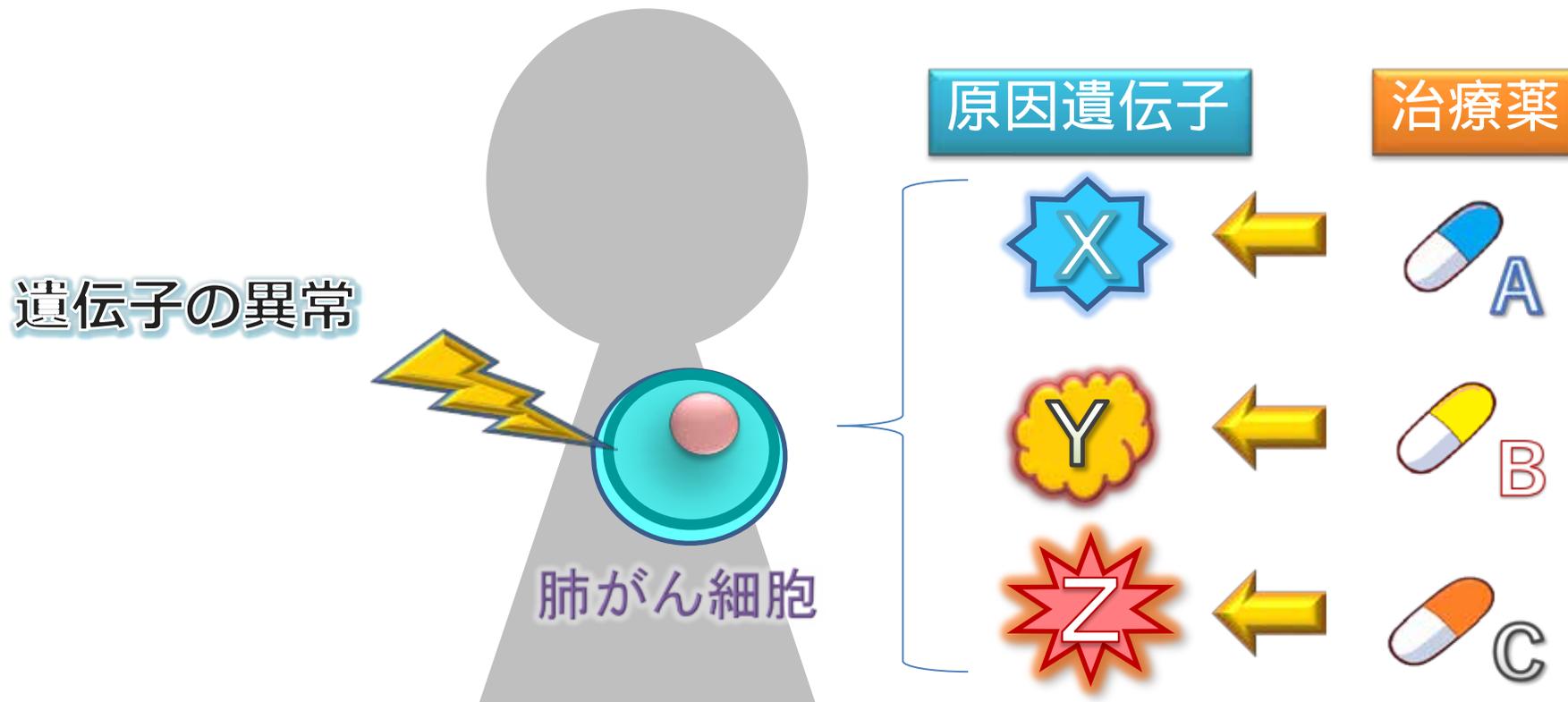
- ・ 医療機関の相談員（患者からの相談等に対応する方）に対する研修において、主治医となる医師等が相談対応を適切に行えるようにするための内容を盛り込む。 本年度中に措置
- ・ 実際の相談事例等を医療機関間で効果的に情報共有するための、「患者申出療養相談窓口ネットワーク」を構築する。 本年度中に措置

（３）臨床研究中核病院からのヒアリング

- ・ 制度運用について、臨床研究中核病院からのヒアリングを行い、運用改善に努める。 本年度以降も引き続き実施

がんゲノム医療：ゲノム情報に基づいたがんの医療

- 同じ「肺がん」であっても、原因となる遺伝子はさまざまであり、対応する薬剤も異なる。
- ゲノム医療では、原因となる遺伝子を特定して、より効果が高い治療薬を選択することが可能となり、患者一人一人にあった「個別化医療」につながる。

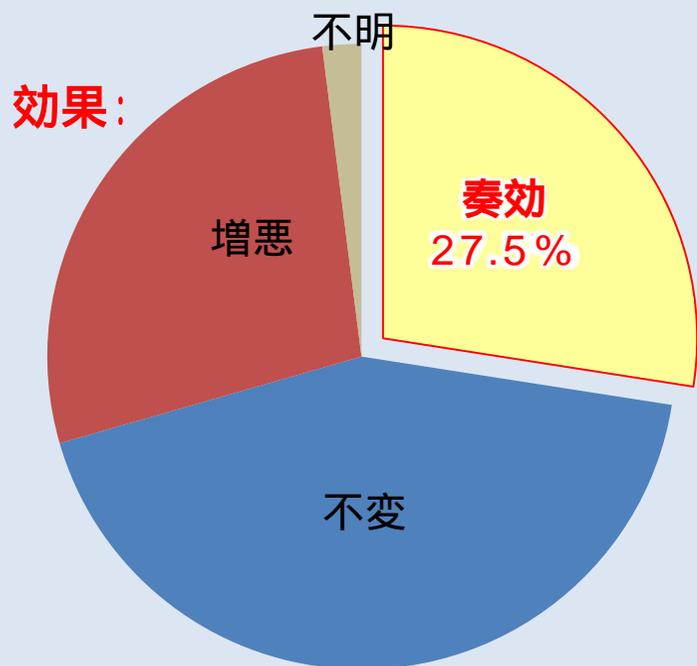


ゲノム情報により、治療成績が大幅に向上する

- イレッサ®は、当初、全ての手術不能非小細胞肺癌を対象に保険適用が承認された。しかし、その後、EGFR遺伝子の異常が有る非小細胞肺癌のみに有効であることが証明され、**効能効果が変更された。**

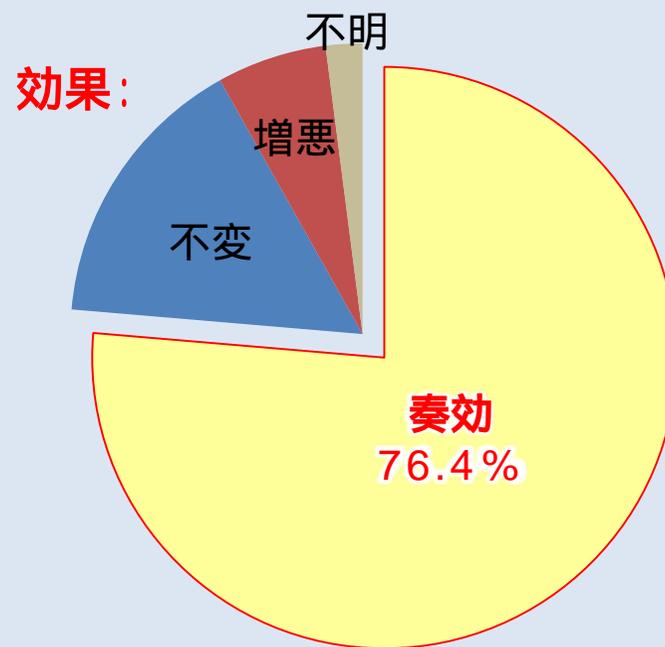
【2002年承認時】

全ての非小細胞肺癌を対象



【2011年11月 効能・効果の変更】

EGFR遺伝子異常の有る非小細胞肺癌
(全非小細胞肺癌の約50%)のみを対象

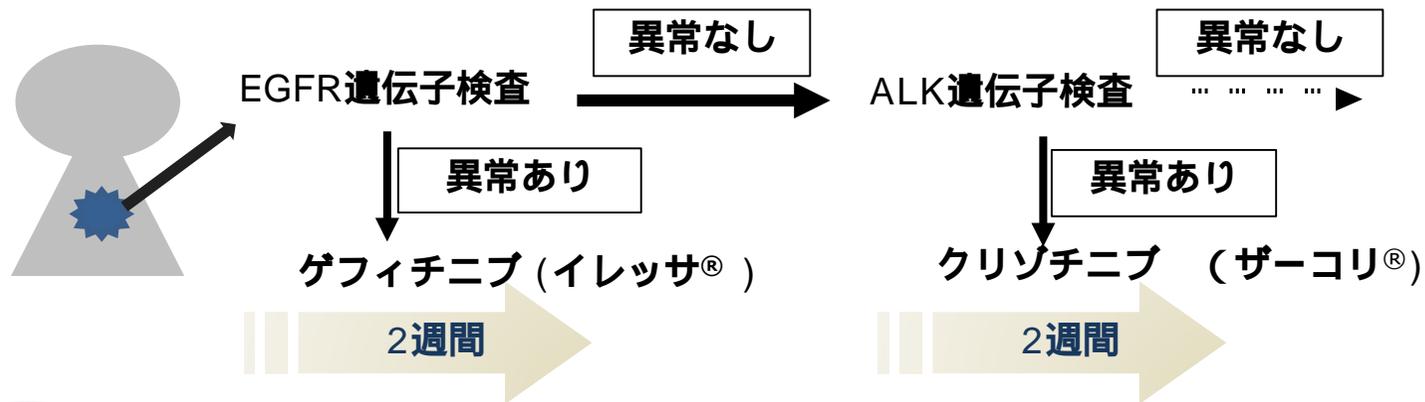


○ゲノム情報により、無効例への投与が回避され、有効性が上昇した

コンパニオン診断から遺伝子パネル検査へ

○ コンパニオン診断（これまでの遺伝子診断方法）

1度に調べられるのは1つの遺伝子異常のみ



課題

一度に調べられるのは1つの遺伝子異常のみであり、複数の遺伝子を検査するには時間と費用がかかる

○ 遺伝子パネル検査（新しい遺伝子診断方法）

1度に多数のがん関連遺伝子を調べることが可能



次世代
シーケンサー